CHAMBRE DES COMMUNES
HOUSE OF COMMONS
CANADA

Comité permanent de la santé

HESA • NUMÉRO 114 • 1re SESSION • 42e LÉGISLATURE

TÉMOIGNAGES

Le jeudi 4 octobre 2018

Président

M. Bill Casey

Comité permanent de la santé

Le jeudi 4 octobre 2018

● (0845)

[*Traduction*]

Le vice-président (Monsieur Don Davies (Vancouver Kingsway, NPD)): La séance est ouverte.

Bonjour à tous. Bienvenue à la 114e séance du Comité permanent de la santé de la Chambre des communes.

Conformément au Règlement, nous reprenons aujourd'hui notre étude sur les difficultés d'accès au traitement et aux médicaments pour les Canadiens atteints de maladies rares et orphelines.

Bienvenue à nos témoins. Nous en avons deux qui sont avec nous ici à Ottawa et un par vidéoconférence. Je crois comprendre qu'un autre témoin se joindra à nous par vidéoconférence à 9 heures.

Chers collègues, nous allons commencer par entendre le Dr Midgley par vidéoconférence de Calgary.

Je crois comprendre, docteur Midgley, que vous devez partir à 10 heures. Est-ce exact?

Dr Julian Midgley (pédiatre néphrologue, à titre personnel): Oui. Il se donne ici une conférence à laquelle j'aimerais assister. Elle commence à 10 heures.

M. Don Davies: Merci.

Chers collègues, je mentionne cela parce que pendant les rondes de questions, je vous prie de vous rappeler que le Dr Midgley doit partir à cette heure-là. Vous pourriez peut-être vous adresser à lui en premier.

Sans plus tarder, docteur Midgley, vous avez 10 minutes pour faire votre déclaration préliminaire.

Dr Julian Midgley: Monsieur le président, mesdames et messieurs les membres du Comité, je vous remercie de m'avoir invité à vous parler des maladies rares et orphelines et de ma prestation de soins à plusieurs patients qui en sont atteints.

Je vais donc me présenter. Je suis pédiatre néphrologue, et j'ai d'abord étudié au Royaume-Uni, puis au Hospital for Sick Children de Toronto. Je travaille à l'Alberta Children's Hospital de Calgary depuis plus de 24 ans. Je collabore au traitement d'un vaste éventail de maladies plus ou moins rares, y compris le syndrome hémolytique et urémique atypique et la glomérulopathie C3.

La maladie que je connais le mieux, à cause de la difficulté d'accès au traitement, s'appelle la cystinose, qui est une maladie rare. Elle affecte environ une personne sur 100 000 à 200 000. Elle est causée par un défaut génétique hérité des deux parents, qui eux ne sont pas affectés parce que chacun d'eux porte une seule mutation du gène de la cystinose. À l'âge d'un an à peu près, les bébés qui ont cette maladie présentent un faible gain de poids et une faible croissance. Ils souffrent principalement de troubles rénaux. Voilà pourquoi on fait d'abord appel à un néphrologue. Cette maladie rénale provoque une excrétion excessive d'électrolytes comme le sodium, le potassium, le phosphate et le bicarbonate, ce qui affaiblit le fonctionnement des reins.

Le traitement de la cystinose consiste en partie à remplacer les électrolytes perdus. On administre des médicaments par voie orale, de préférence plusieurs fois par jour. Bien que ces médicaments sauvent littéralement des vies, ils sont souvent considérés comme des suppléments nutritionnels, alors les régimes d'assurance-médicaments privés et provinciaux n'en remboursent pas les coûts. Malheureusement, le défaut génétique du métabolisme qui cause la cystinose ne provoque pas seulement des maladies rénales: il touche toutes les cellules du corps et produit de nombreux autres symptômes.

Nous traitons principalement la cystinose avec un médicament qui s'appelle cystéamine. Il réduit considérablement les méfaits de la maladie sur les cellules. Les patients doivent le prendre toute leur vie. Il est très efficace; il retarde l'insuffisance rénale jusqu'à l'âge adulte et prévient en grande partie les méfaits de la cystinose sur les autres organes.

Bien qu'aux États-Unis, la FDA ait approuvé la cystéamine en 1994 pour traiter la cystinose, ce médicament n'a jamais reçu d'avis de conformité au Canada. Voilà pourquoi, depuis plus de 20 ans, les Canadiens atteints de cystinose n'ont accès à la cystéamine que par l'entremise du programme d'accès spécial de Santé Canada.

On administre la cystéamine quatre fois par jour. Elle est relativement chère. Suivant la taille du patient, les coûts s'élèvent à environ 10 000 $ par année. Sans avis de conformité, le financement de la cystéamine posait souvent des problèmes, puisque les régimes privés ne la couvraient pas et que les programmes d'accès spécial des provinces suivaient des mécanismes différents pour en autoriser le financement. On remplissait les formulaires tous les six mois pour chaque patient. Toutefois, cela n'entravait pas nécessairement l'accès une fois que le patient était admis au programme d'accès spécial.

La cystéamine à libération différée est devenue disponible aux États-Unis en 2013 et a reçu un avis de conformité de Santé Canada en juin 2017. On l'administrait deux fois par jour, ce qui a considérablement amélioré l'adhésion des adolescents et des adultes à leur traitement. Mais comme on n'avait pas mené d'études à long terme sur son efficacité, de nombreuses familles désiraient conserver le médicament qui s'était avéré efficace. Évidemment, cela allait coûter beaucoup plus cher. Je compare cela à l'achat d'une maison chaque année. La cystéamine n'a été ajoutée à la liste des médicaments de l'Alberta que le 1er septembre de cette année, au prix de 35,05 $ par capsule de 75 milligrammes. À ce prix, comme les patients doivent en prendre beaucoup, la dose d'adulte pourrait coûter plus de 1 000 $ par jour, soit plus de 400 000 $ par année.

À la suite de la publication de l'avis de conformité, le programme d'accès spécial a donné l'impression que la cystéamine à libération immédiate n'était pas disponible du tout. Même si le médicament était disponible sur le marché, il demeurait inabordable pour les familles sans assurance privée. Il était difficile de le trouver, parce qu'il n'était pas disponible sur le marché, et comme il n'existait aucun mécanisme de financement, il semblait bien que le programme d'accès spécial n'accorderait plus l'accès à la cystéamine à libération immédiate.

● (0850)

Mais lorsqu'il est devenu évident que, pour toutes sortes de raisons, ce médicament ne serait pas disponible, le programme d'accès spécial a répondu aux demandes des familles en invoquant le critère de nécessité médicale. Cependant, il ne l'accordait généralement pas aux prescripteurs, ou alors il ne l'accordait que pour une période de trois ou quatre mois au lieu des six mois dont nous disposions auparavant.

Cette approche était extrêmement difficile pour les familles, qui ne jouissaient pas d'un approvisionnement sûr de ce médicament qu'elles devaient administrer avec constance toute la journée sans interruption. Il est certain qu'elle compliquait le travail des fournisseurs de soins et qu'elle leur causait de grandes difficultés.

Le programme d'accès spécial n'a certainement pas averti les prescripteurs des changements qui allaient se produire dans le cas de la cystéamine à libération immédiate.

Il faut reconnaître que la société pharmaceutique a eu la bonté de fournir de la cystéamine à libération différée aux patients qui n'avaient pas accès au financement afin de ne pas interrompre le traitement.

En résumé, il faut pouvoir obtenir des médicaments non approuvés par le programme d'accès spécial, mais le processus est assez compliqué, du moins au début. Dans le cas de la cystéamine à libération immédiate, il semble assez extraordinaire d'avoir accès au programme d'accès spécial pendant plus de 20 ans.

Le processus de transition à une formulation approuvée du nouveau médicament n'était pas coordonné et ne semblait pas avoir été conçu dans l'intérêt des patients. Nous avions plutôt l'impression qu'il favorisait le système de Santé Canada et celui des compagnies pharmaceutiques.

Je comprends mal le mécanisme d'établissement du prix des nouveaux médicaments, et il s'est déroulé plus d'un an avant que l'Alberta n'ajoute la cystéamine à libération différée à sa liste de médicaments. La compagnie pharmaceutique négocie le financement de ce médicament avec chacune des provinces, et je crois comprendre que jusqu'à présent, l'Alberta, la Saskatchewan, l'Ontario et le Québec se sont entendus sur un financement. Ce financement gouvernemental semble être inférieur au prix courant, mais évidemment, cela demeure confidentiel.

Il semble bien qu'à l'avenir, le traitement de la cystinose par la cystéamine, bien que relativement efficace, ne sera certainement pas facile, et il est maintenant incroyablement coûteux. Toutes les personnes touchées par la cystinose comptent maintenant ardemment sur les cellules souches pour corriger le défaut génétique et pour traiter cette maladie. Les essais cliniques commenceront bientôt aux États-Unis, mais si ce traitement devenait disponible après ces essais, je me demande si les Canadiens y auront accès. Le problème tient peut-être au fait qu'on ne peut pas dépenser beaucoup d'argent pour un médicament provenant d'une source unique et qu'il faudra déterminer si ces économies s'appliqueraient à un traitement génétique venant de l'étranger.

Monsieur le président, voilà qui conclut ma déclaration préliminaire.

● (0855)

M. Don Davies: Merci, docteur Midgley.

Messieurs les témoins, chacun de vous quatre fera une déclaration préliminaire de 10 minutes, après quoi nous passerons aux questions.

Pouvons-nous maintenant passer la parole à M. Coyle, de l'Université d'Ottawa?

M. Doug Coyle (professeur, École d'épidémiologie, de santé publique et de médecine préventive de l'Université d'Ottawa, à titre personnel): Merci. Merci à tous mes collègues qui sont venus témoigner aujourd'hui.

Je m'appelle Doug Coyle. Je suis professeur à l'École d'épidémiologie et de santé publique de l'Université d'Ottawa. Je suis économiste de la santé et je travaille dans ce domaine de recherche depuis 28 ans. Je n'ai aucun conflit d'intérêts à signaler à ce sujet.

J'ai déjà siégé au Comité d'évaluation des médicaments ainsi qu'au Groupe de travail en matière de maladies rares du ministère de la Santé et des Soins de longue durée de l'Ontario. J'ai aussi siégé au Comité canadien d'expertise sur les médicaments de l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé, l'ACMTS. Dans tous ces comités, j'ai aidé à formuler des recommandations sur le financement des nouveaux produits pharmaceutiques.

Je vous remercie de me donner l'occasion de présenter mon point de vue aujourd'hui. Ma recherche et mon enseignement sont motivés par le fait que je suis profondément convaincu que l'État se doit de financer le système de soins de santé. Je suis à la fois profondément convaincu que l'égalité d'accès aux soins de santé devrait être un droit et que de nature, les soins de santé ne sont pas des produits que l'on peut efficacement fournir dans un système commercial. Il ne faut jamais sous-estimer cette dernière observation.

Malgré ma profonde croyance en un système de soins de santé financé par l'État, j'ai l'impression que mon exposé ira à l'encontre de celui d'autres témoins.

On m'a demandé de présenter mon point de vue sur les facteurs qui entravent l'accès aux traitements et aux médicaments pour les Canadiens atteints de maladies rares et orphelines.

Notre système de soins de santé subit toujours plus de pressions. De nouvelles interventions plus coûteuses sont maintenant disponibles, et les gens réclament leur adoption à grands cris. Il est important d'établir un processus de prise de décisions sur les technologies à financer en fonction des valeurs et des souhaits des Canadiens. Toutefois, je crois qu'il est crucial d'établir des processus justes, équitables et transparents pour la prise des décisions complexes et difficiles sur le remboursement des interventions en soins de santé de manière à protéger la viabilité de notre système de soins de santé.

Les processus que nous avons à l'heure actuelle sont assez bons, mais ils ne règlent pas suffisamment les problèmes auxquels notre système de santé fait face. À mon avis, le principe fondamental qui sous-tend l'élaboration de tels processus est le besoin d'équité, car les décisions difficiles sur ce qui devrait ou ne devrait pas être remboursé doivent reposer sur un processus qui traite les gens sur un pied d'égalité. Autrement dit, nous devrions assurer un gain en matière de santé de valeur égale pour tous les Canadiens. De cette façon, notre système de santé viserait à améliorer la santé globale de la population canadienne.

Cependant, compte tenu des limites de notre budget de soins de santé, toutes les nouvelles technologies ne réussiront pas à améliorer la santé générale de la population. Malgré tout ce que les gens prétendent, la plupart, sinon la totalité, des nouvelles technologies ne produisent pas d'économies à long terme. Il faut donc évaluer si les avantages potentiels des nouvelles technologies justifient les prix proposés.

Il est possible d'évaluer avec quelle efficacité le système canadien améliore actuellement la santé de la population. Selon les estimations, nous dépensons entre 30 000 $ et 50 000 $ pour chaque année supplémentaire de vie saine. On pourrait suivre ce critère pour évaluer la valeur des nouvelles technologies. En décidant de financer des technologies qui ne peuvent pas améliorer la santé à ce prix, les limites de notre budget de santé nous obligent à réduire la santé potentielle de la population canadienne. Nous prenons donc la décision de favoriser les avantages médicaux d'un groupe de Canadiens par rapport à ceux des autres groupes.

On a mené, au Canada et partout au monde, de nombreuses enquêtes pour déterminer si le grand public est disposé à accepter une réduction des niveaux de santé de l'ensemble de la population pour améliorer ceux de populations dont on juge les avantages médicaux plus importants. Les résultats des sondages ont montré à maintes reprises que le public ne considère pas la rareté comme une raison suffisante pour favoriser ce groupe de patients par rapport au reste de la population. Ainsi, pour refléter les valeurs sociétales, les technologies relatives aux maladies rares devraient être évaluées en utilisant les mêmes critères que celles qui traitent des maladies plus communes.

J'aimerais de nouveau présenter le cas de Soliris au Comité. Le Soliris est un médicament qui traite une maladie rare appelée hémoglobinurie paroxystique nocturne, que l'on peut heureusement abréger HPN. C'est une maladie orpheline, et le Soliris la traite efficacement. Il réduit l'incidence des thrombo-embolies, qui sont la cause principale de mortalité de cette maladie, et il réduit le besoin de transfusions sanguines, qui représentent une partie importante du coût de gestion de cette maladie.

Toutefois, le Soliris coûte 500 000 $ par patient par année. Selon une analyse indépendante, le financement du Soliris ne pourrait améliorer la santé générale de la population canadienne que si l'on réduisait le prix de ce médicament de 98,5 %. Bien que l'on ait forcé la compagnie pharmaceutique Alexion à réduire son prix, il est peu probable que le prix du Soliris tombe à ce point.

● (0900)

On nous dit souvent que le financement du traitement des maladies rares aurait peu d'impact sur les budgets de la santé et que nous disposons d'une plus grande marge de décision. Toutefois, le financement du Soliris à son prix d'origine coûterait plus de 100 millions de dollars par année si l'on traitait tous les patients admissibles. Cet argent pourrait fournir aux Canadiens de nombreux autres services qui produiraient de plus grands avantages en matière de santé.

Par conséquent, la décision de financer le Soliris dans certaines provinces, même à prix réduit, ne devrait pas être considérée comme équitable. Compte tenu des ressources limitées de notre système de santé, le financement du Soliris a privé des milliers de Canadiens de soins de santé qu'ils auraient pu recevoir. Cette décision a donc réduit la santé globale de la population canadienne.

Je pourrais citer beaucoup d'autres exemples de médicaments pour les maladies rares dont le financement a réduit celui de la santé de la population. Vous avez peut-être entendu parler plus récemment du financement des médicaments Orkambi et Kalydeco pour la fibrose kystique. Les médias ont beaucoup parlé de l'incohérence de la couverture de ces produits au Canada. Les résultats de l'analyse menée par l'ACMTS sur les avantages à long terme de ces produits suggèrent que pour que leur financement augmente la santé de la population canadienne, il faudrait réduire le prix de ces produits d'au moins 90 %. Les ministères provinciaux ont donc pris une décision responsable en ne finançant pas le Kalydeco et l'Orkambi, puisque ce financement aurait privé d'autres Canadiens des soins de santé dont ils ont besoin et qui seraient plus avantageux pour l'ensemble de la population canadienne.

Nous entendons souvent affirmer que le Canada devrait récompenser les fabricants de médicaments novateurs. Il faut cependant appuyer l'innovation en ne finançant que les technologies qui présentent un bon rapport qualité-prix, celles qui améliorent la santé de la population canadienne. Il est difficile de soutenir qu'un produit est vraiment innovateur si son financement réduit celui de la santé générale de la population.

Dans leurs discussions sur le financement des médicaments pour maladies rares, les médias canadiens mentionnent à peine le coût d'acquisition exceptionnellement élevé de ces médicaments et la responsabilité des fabricants qui créent ces situations difficiles, comme l'a démontré le Dr Midgley. Le traitement à l'Orkambi coûte 300 000 $ par patient par année. Un article intéressant publié récemment compare les couvertures médiatiques de l'Orkambi aux États-Unis et au Canada. Chez nous, les médias mettent surtout l'accent sur la lutte des patients qui cherchent à obtenir un remboursement de l'assurance, alors qu'aux États-Unis, on traite principalement des aspects financiers du produit, du volume élevé des ventes et du rendement financier du fabricant de produits pharmaceutiques Vertex.

Il est bien évident que les fabricants de médicaments pour maladies rares ne sont pas pauvres. Les grandes compagnies pharmaceutiques s'intéressent de plus en plus à cette question. On remet toujours plus en question le prix de ces produits et l'on suggère d'exhorter le Conseil d'examen du prix des médicaments brevetés à tenir compte des répercussions sur la santé globale de la population canadienne en établissant les prix.

Je crois fermement qu'avant de s'engager à financer des produits dont les coûts annuels sont si élevés, il faut déterminer sérieusement si les prix demandés sont raisonnables. Je voudrais également soulever la nécessité d'établir un financement plus global de toutes les interventions en soins de santé qui ne favorise pas celles qui sont fortement appuyées par des commanditaires commerciaux.

Dans le cadre des discussions sur les maladies rares, on met beaucoup l'accent sur les produits pharmaceutiques. C'est souvent la cible principale des groupes de défense des droits des patients. Toutefois, cette insistance sur les produits pharmaceutiques mène à des décisions de financement qui favorisent ces produits aux dépens d'autres interventions en soins de santé qui s'avéreraient plus efficaces et qui ne gonfleraient pas les profits de ceux qui préconisent le remboursement des médicaments. Il est important de tenir compte de toutes les technologies offertes. Plusieurs d'entre elles sont sous-financées, même si leur efficacité et leur rentabilité sont manifestes. Plusieurs d'entre elles ne jouissent pas de l'appui de commanditaires commerciaux.

Compte tenu de l'évolution démographique de notre pays et des besoins qui vont augmenter dans le domaine des soins à domicile et des soins de longue durée, l'insistance sur l'assurance-médicaments passe à bien des égards à côté du grand problème auquel notre système de santé et de services sociaux fait face à l'heure actuelle. Les soins dispensés par les établissements de soins palliatifs, par les services de soins à domicile et par les établissements de soins de longue durée ne jouissent d'aucune promotion commerciale et sont souvent négligés par les groupes qui préconisent les soins de santé. La recherche sur les avantages qu'ils apportent manque de financement, et leur lobbying est limité parce qu'ils n'ont pas de commanditaires commerciaux.

Je vais maintenant résumer les points saillants de ma présentation.

Pour qu'un système de soins de santé financé par l'État soit viable, nos décideurs doivent avoir le courage de refuser de financer certaines technologies nouvelles. En ne prenant pas ces décisions de façon uniforme et équitable, les décideurs nuisent à la santé de l'ensemble de la population canadienne et, je vous le dirai franchement, ils ne font tout simplement pas leur travail.

● (0905)

Le choix des technologies à financer devrait reposer avant tout sur un principe d'équité. Il est injuste de financer des technologies aux dépens d'autres technologies plus avantageuses. Cela va à l'encontre de nos valeurs sociétales.

La défense du traitement des maladies rares tend à cibler la couverture de produits pharmaceutiques. Cependant, pour atteindre nos objectifs d'amélioration de la santé de la population canadienne, il est essentiel que nous prenions des décisions raisonnables et rationnelles de façon cohérente sur le financement de toutes les interventions en soins de santé, et non uniquement de celles qui soutiennent des intérêts commerciaux.

Merci beaucoup pour votre temps.

Le vice-président (M. Don Davies): Merci, monsieur Coyle.

Je vois que nous avons de la peine à établir la communication avec le Dr Campbell.

Heureusement, M. McFadyen, de la Fondation Isaac, est ici avec nous. Bienvenue, monsieur McFadyen. Vous avez 10 minutes.

M. Andrew McFadyen (directeur exécutif, The Isaac Foundation): Merci.

Mesdames et messieurs, je suis directeur général de la Fondation Isaac, qui se consacre à la défense des intérêts et au soutien de patients atteints d'un vaste éventail de maladies extrêmement rares pour lesquelles ils cherchent un traitement. Cela comprend les patients qui ont la cystinose.

Je travaille un peu partout aux États-Unis. Je fais aussi partie d'un groupe de travail de l'Université de New York, le Working Group on Compassionate Use and Pre-Approval Access. Ce groupe s'efforce d'améliorer l'accès aux médicaments expérimentaux et de régler les problèmes qui l'entravent.

Je siège aussi au Conseil d'administration de Clinical Research Pathways, où nous aidons les patients gravement malades à accéder à des médicaments expérimentaux.

Je suis également membre associé de l'organisme GE2P2 Global, qui s'efforce de promouvoir la rigueur éthique et scientifique en recherche et en production de données probantes. Je suis membre du comité consultatif indépendant de bioéthique de cet organisme, chargé de fournir un soutien consultatif aux sociétés biopharmaceutiques sur les programmes d'accès étendu, sur les essais cliniques et sur d'autres enjeux.

J'ai également eu la chance de comparaître à titre de témoin expert devant le Sénat des États-Unis alors qu'il examinait une loi sur le « droit d'essayer » pour les patients en phase terminale qui désirent accéder à des traitements qui pourraient leur sauver la vie.

Mon organisme me tient très à coeur, car il porte le nom de mon fils, mon héros, la personne la plus courageuse que je connaisse, Isaac McFadyen. Isaac souffre d'une maladie extrêmement rare et dévastatrice, le MPS VI. En la diagnostiquant, on nous a dit qu'Isaac allait être rongé par la douleur et les souffrances. Cette maladie allait ravager tous ses os, ses muscles, ses organes et ses tissus, à l'exception de son cerveau, jusqu'à ce qu'il y succombe, pendant son adolescence. Pendant 12 ans, il s'est battu — nous nous sommes battus — pour écarter l'inévitable, et nous avons eu beaucoup de chance. En 2006, nous avons eu accès à un nouveau traitement qui prolonge la vie. Ce traitement a été approuvé par la FDA, mais pas par Santé Canada. Le processus de l'ACMTS était très ardu. Isaac a maintenant 14 ans, et sa vie est bien différente de celle qu'on nous avait prédite.

Je vous fais part de mes expériences professionnelles et personnelles pour montrer à quel point je comprends le monde dans lequel vivent nos familles et le fardeau insupportable qu'un diagnostic de fin de vie peut leur imposer.

Je l'ai dit tout à l'heure, et je le redis souvent: nous avons une chance incroyable. Le cheminement a été long et difficile, mais heureusement, il ne s'est pas arrêté. En accédant peu après le diagnostic à ce traitement qui prolonge la vie d'Isaac, nous avons attrapé une bouée de sauvetage, une occasion de ralentir considérablement la maladie jusqu'à ce qu'on y trouve un remède. Isaac n'a pas eu à vivre dans la douleur et la souffrance.

Pour nous, la guérison est proche. Notre famille s'envole pour l'Italie dans deux jours afin qu'Isaac reçoive une seule infusion qui transformera sa vie. Nous espérons que cette thérapie génique par infusion, effectuée dans le cadre d'un essai clinique, guérira mon fils. Il sera le cinquième patient au monde à recevoir ce traitement et le seul patient d'Amérique du Nord. Notre système de soins de santé l'a gardé en vie pour enfin le guérir.

Dans ce monde de maladies rares où j'évolue quotidiennement, l'expérience d'Isaac elle-même est rare parce que, malheureusement, notre pays n'a pas su lancer des bouées de sauvetage à la grande majorité des patients qui en ont besoin. Ces bouées sont pourtant disponibles. On approuve et l'on commercialise de plus en plus de traitements qui sauvent les patients atteints de ces maladies dévastatrices. La difficulté d'accès découle du processus établi pour tendre ces bouées aux patients. Comme le nombre de patients atteints de chaque maladie rare est infime, les compagnies pharmaceutiques doivent facturer un prix élevé pour récupérer les coûts énormes qu'elles déboursent pour la recherche et pour le processus d'approbation. Ce coût élevé, qui dépasse parfois 500 000 $ par année pour un seul patient, est considéré comme un fardeau pour le système de santé. Afin de garantir l'optimisation des ressources, les organismes de réglementation assujettissent ces traitements novateurs, mais coûteux, à des examens supplémentaires. Le cheminement du laboratoire au patient est donc extrêmement long et ardu, et les patients paient le prix ultime de ces délais bureaucratiques.

Par exemple, les médicaments pour les maladies rares sont souvent approuvés dans le cadre du processus d'examen prioritaire de Santé Canada, puisqu'ils ont le potentiel de sauver ou de transformer des vies. Malheureusement, cette approbation rapide n'amène pas le médicament rapidement aux patients. Une fois approuvé par Santé Canada, le médicament passe à l'ACMTS pour une deuxième évaluation, qui peut durer de 6 à 12 mois. Après l'évaluation de l'ACMTS, le médicament est envoyé à l'Alliance pancanadienne pharmaceutique, l'APP, qui en négocie le prix. L'APP a été créée pour réduire le coût des médicaments en négociant un prix unique pour toutes les régions du pays.

● (0910)

Cette mesure est louable, mais elle retarde encore l'obtention de médicaments pour les patients et il n'est pas rare que les négociations sur les prix entre l'Alliance et la société pharmaceutique prennent 12 mois ou plus.

Le processus que j'ai décrit est très strict, et les administrations permettent rarement l'accès à ces médicaments durant la période d'examen bureaucratique, encore une fois au détriment des patients qui se battent pour leur vie.

Cela laisse très peu de choix aux patients et aux membres de leur famille. Soit ils attendent de l'aide pendant qu'ils luttent contre leur maladie dévastatrice, et c'est une course contre la montre, soit ils passent à l'action et portent leur situation à l'attention du public par des campagnes de sensibilisation, des articles de journaux, des pétitions et la sollicitation des responsables politiques.

Il faut comprendre qu'aucun patient ni aucune famille ne veut mettre ses enfants en première page du journal pour s'assurer qu'ils reçoivent l'aide dont ils ont besoin, et ils ne devraient pas avoir à le faire. Les patients et les familles qui luttent contre les maladies rares ont déjà fort à faire, et il est cruel et injuste de transférer le fardeau de l'accès à des médicaments susceptibles d'être d'une importance vitale pour le faire porter aux patients plutôt qu'aux organismes de réglementation.

J'ai eu la chance de collaborer efficacement avec des représentants du gouvernement et du secteur pharmaceutique pour essayer de trouver des solutions aux problèmes qu'affrontent nos patients. On me considère souvent comme un interlocuteur objectif et juste, qui fait toujours valoir les besoins des patients tout en proposant souvent aux administrations la démarche la plus équitable et la plus éthique pour toutes les parties concernées.

Ces collaborations et ces relations nous ont déjà aidés à ouvrir la voie à nos patients qui en avaient le plus besoin, et je suis fier de dire que nous n'avons jamais échoué à obtenir l'accès à un traitement contre une maladie rare pour nos patients partout au pays. Cependant, le recours croissant au processus rigoureux mais long dont j'ai déjà parlé, sans dérogation possible pour certaines des circonstances les plus extraordinaires qui surviennent souvent dans notre communauté des maladies rares, donne à mon organisation le sentiment que l'accès accéléré pour nos patients est désormais impossible.

Par exemple, je suis actuellement en recherche d'accès pour un petit groupe de patients aux prises avec une terrible maladie extrêmement rare à évolution très rapide. Il n'y a que neuf patients au Canada qui vivent dans des localités limitrophes de circonscriptions représentées ici par huit membres du Comité. La maladie entraîne une déficience neurologique menant à la cécité, à des crises épileptiques, à l'incapacité progressive de bouger, puis à une mort rapide. La FDA a approuvé un traitement révolutionnaire pour cette maladie il y a 18 mois, et Santé Canada est censé l'approuver cette année dans le cadre de son examen prioritaire. Nous avons été en mesure de le fournir aux patients par le biais du programme d'accès spécial — ou du moins nous le pourrons aussi longtemps qu'il y aura un plan de remboursement en place du côté des provinces ou de la compagnie pharmaceutique, et c'est là le défi.

Après une année complète de collaboration avec des représentants du gouvernement, de l'Alliance et de l'entreprise pharmaceutique, les patients n'ont toujours pas accès à ce médicament. Cette démarche a été épuisante, et nous en sommes arrivés au point où l'entreprise a généreusement accepté de permettre l'accès immédiat aux patients, en imposant très peu de conditions aux gouvernements. Mais, de crainte de créer un précédent et de s'écarter des processus bureaucratiques normaux auxquels sont assujettis tous les médicaments contre les maladies rares, les administrations ont refusé cette offre de la société pharmaceutique, qui me semble incroyablement généreuse et qui ouvrirait l'accès, et il se peut fort bien que les patients doivent attendre des années avant de pouvoir avoir accès à ce médicament.

Qu'est-ce que cela veut dire en réalité? Cela veut dire que tous les patients qui luttent contre cette maladie mourront avant d'avoir accès à ce médicament d'importance vitale, et c'est une horrible catastrophe que nous pouvons tous facilement éviter. J'ai juré à tous les patients et à toutes les familles de ne pas laisser cela se produire. Je continue de croire que tous les intervenants peuvent collaborer pour empêcher ces morts, si seulement on leur donne la marge de manoeuvre nécessaire pour approuver le processus novateur, éthique et très équitable que notre organisation a travaillé si fort à mettre en place.

Pour éviter que cela ne se produise pour d'autres patients, je crois que nous devrions prévoir un processus d'examen à trois voies pour les médicaments qui font l'objet d'un examen prioritaire, les examens de Santé Canada et de l'ACMTS ayant lieu simultanément, et les négociations sur les prix devenant actives parallèlement aux deux processus d'examen, afin que les négociations soient terminées au moment où le médicament est approuvé. Cela réduirait considérablement le délai d'accès à ces médicaments d'importance vitale pour les patients dans le besoin, et nous ne perdrions pas des générations entières de patients qui attendent de l'aide.

Il faudrait aussi réserver un très faible pourcentage du transfert au titre des soins de santé, qui servirait de fonds commun utilisable par les administrations de tout le pays pour offrir un accès immédiat à des médicaments d'importance vitale dûment approuvés, mais pendant que les négociations finales sur les prix seront peut-être encore en cours. Cela garantirait que tous les patients qui ont besoin d'un médicament approuvé le reçoivent, peu importe la rapidité ou la lenteur du processus bureaucratique qui y est associé.

● (0915)

Je crois aussi qu'il est indispensable d'avoir un groupe de bioéthiciens indépendants, un peu comme le comité aux travaux duquel je participe aux États-Unis, qui consulte et conseille les grandes sociétés pharmaceutiques lorsqu'elles ont à régler des cas d'accès difficiles, pour aider et conseiller les autorités compétentes, qui pourraient, elles aussi, avoir à régler des cas difficiles et exceptionnels, comme celui que je viens de décrire. Ce groupe indépendant, composé de bioéthiciens, de pharmaciens et de défenseurs des droits des patients, pourrait aider à trouver des solutions novatrices dans ces cas exceptionnels où l'accès doit être immédiat pour sauver des vies, mais qui sont quand même assujettis à un processus permettant de garantir la responsabilisation et l'optimisation des ressources que les bureaucrates exigent au nom des Canadiens.

Distingués membres du Comité, notre système ne fonctionne pas pour les Canadiens vulnérables qui, comme mon fils, n'ont rien fait de mal, mais sont tout simplement tombés du mauvais côté de la loterie génétique. Il ne fonctionne pas pour les patients qui luttent pour leur vie, espérant et en attendant que le canot de sauvetage arrive. Il peut et doit être corrigé.

Merci beaucoup.

M. Don Davies: Merci, monsieur McFadyen.

Docteur Campbell, pouvez-vous nous entendre?

Dr Craig Campbell (MD, Département de pédiatrie et neurologie, Children's Hospital London Health Sciences Centre, à titre personnel): Très bien.

M. Don Davies: Excellent. Merci de vous joindre à nous. Vous avez 10 minutes pour faire votre exposé préliminaire; après quoi nous passerons aux questions.

Dr Craig Campbell: D'accord. Merci.

Je m'appelle Craig Campbell. Je suis neurologue en pédiatrie à l'Hôpital pour enfants de London, en Ontario, à l'Université Western. Je dirige la division de neurologie et suis vice-président à la recherche au département de pédiatrie. Je suis également vice-président du comité de surveillance du registre international de l'Alliance TREAT-NMD, qui regroupe plus d'une centaine de registres de patients atteints de maladies rares et extrêmement rares parmi les troubles neuromusculaires.

Je suis heureux d'avoir l'occasion de m'adresser au Comité aujourd'hui et de témoigner de mon expérience dans ce domaine.

Je vais d'abord vous révéler que je travaille avec de nombreuses sociétés pharmaceutiques pour planifier, mettre en oeuvre, analyser et surveiller des essais cliniques sur des maladies neuromusculaires rares et leur fournir des conseils à ce sujet. J'ai récemment eu l'occasion de fournir des conseils sur les circuits post-commercialisation. Je le fais toutefois à titre bénévole. Tout argent qui ne sert pas directement à mes déplacements est immédiatement remis à un organisme de bienfaisance.

On m'a demandé de vous parler des problèmes d'accès et de remboursement concernant les médicaments contre les maladies rares et de l'élaboration de données probantes dans le cadre du processus d'examen. Je crois sincèrement qu'il s'agit d'un point de convergence très négatif pour de nombreux autres aspects et questions qui gravitent autour de toute la réflexion relative à l'élaboration d'un cadre de référence pour les maladies rares. Comme vous le savez sans doute, il y a énormément de tension dans l'espace des maladies rares lorsqu'un médicament atteint les dernières étapes des essais cliniques. Les organisations de patients, les chercheurs cliniques, les praticiens, les commanditaires du secteur privé et les organismes de réglementation prévoient tous une voie d'accès, et pourtant nous sommes rarement coordonnés ou solidaires dans la façon d'aborder ces décisions critiques. D'après ce que je comprends et d'après mon expérience, cela finit le plus souvent par frustrer certains des intéressés quand ce n'est pas tous. À mon avis, c'est toute la culture sous-jacente à ce processus qui doit changer.

Comme je l'ai demandé dans mon commentaire paru dans le JAMC en 2017, il doit y avoir un changement de culture pour passer de ce qui semble être une perspective axée sur la contradiction à un paradigme beaucoup plus axé sur l'harmonie entre toutes les parties, qui couvre vraiment tout le cycle de vie d'un médicament contre les maladies rares, un processus qui comportant des délais clairs, de meilleures consultations entre les intervenants et une plus grande transparence dans l'examen des données probantes et les décisions relatives à l'accès. Paradoxalement, je pense que cela mènera presque certainement à une approche plus rationnelle. À l'heure actuelle, beaucoup de familles doivent faire défiler leurs enfants dans les médias. Beaucoup de sociétés pharmaceutiques manipulent les médecins et le public. Les cliniciens et les groupes de patients réagissent sous le choc aux décisions. Les règlements et les processus internes semblent étouffer la participation des organismes de réglementation.

J'aimerais vous faire part de quelques réflexions à deux sujets: premièrement, le paradigme du processus d'examen des preuves; deuxièmement, l'accès à la thérapie avec l'élaboration continue de données probantes.

Tout d'abord, en ce qui concerne le processus d'examen, dans presque toutes les interactions que j'ai eues avec les organismes de réglementation canadiens aux travaux desquels j'ai participé, les membres du personnel de ces organismes disaient que les examens des dossiers de médicaments pour les maladies rares peuvent être et seront effectués avec plus de souplesse et plus de considération pour le contexte et la totalité des données. Par ailleurs, ils affirment souvent que les processus d'approbation actuels et les mécanismes d'examen des données probantes sont adaptables aux médicaments contre les maladies rares. Et pourtant il semble que ce soit rarement le cas au regard des décisions finales qui sont prises.

Dans le cadre de l'examen des données probantes, on s'appuie sur les méthodes traditionnelles, qui ne tiennent pas compte du fait qu'il existe peu de données sur les maladies rares et sur les antécédents naturels et d'autres ensembles de données utiles — comme les données sur la qualité de vie, l'incidence sur les activités quotidiennes et l'analyse des coûts — susceptibles de servir à compléter l'examen classique des maladies qui ne sont pas rares.

Je crois qu'une nouvelle perspective doit être apportée à l'examen des médicaments pour les maladies rares, et ce à tous les niveaux. Idéalement, cela prendrait la forme d'une stratégie et d'une voie globales pour les maladies rares, mais des mesures intermédiaires plus modestes pourraient être prises, comme la création d'un comité d'examen qui aiderait les organismes de réglementation chargés d'un examen des médicaments pour les maladies rares.

J'hésiterais à dire que les approches conservatrices fondées sur des données probantes et le fait de se fier à ce sacro-saint « $p<0,05$ » concernant le résultat principal d'un essai clinique de phase III ne permettent pas une évaluation adéquate des données dans le contexte des maladies rares, mais il semble y avoir une adhésion à ce dogme.

● (0920)

Un organisme de réglementation canadien m'a dit un jour, après avoir présenté une méta-analyse très convaincante de deux essais d'un médicament contre une maladie rare, que les organismes de réglementation n'utilisent pas de méta-analyses. C'est surprenant, en ce sens que c'est considéré comme le summum des techniques médicales fondées sur des données probantes. Si c'était plus largement utilisé, on aurait sauvé d'innombrables vies et des quantités de dollars et ressources dans de nombreux domaines de la médecine. À mon avis, il faut passer à un cadre plus pragmatique pour l'examen des médicaments contre les maladies rares.

Dans cette optique, je suggère que tous les organismes de réglementation canadiens adoptent les lignes directrices GRADE — ce qui signifie classement des recommandations, évaluation, élaboration et évaluation — pour l'examen des données probantes. Ce cadre directif, élaboré en grande partie par le Canada, est utilisé partout dans le monde par plus de 70 organismes d'examen, dont l'Organisation mondiale de la Santé et le NICE, mais, à notre connaissance, cela n'entre pas en ligne de compte dans de nombreuses décisions de Santé Canada et de l'ACMTS. Ils n'utilisent pas ce cadre de façon systématique. GRADE permet d'exposer de façon plus transparente l'ensemble des données probantes, de les classer en fonction de leur qualité et de leurs points forts, puis de tenir compte du contexte des préférences des patients, de l'équilibre entre risques et avantages et de la rentabilité dans l'élaboration d'une recommandation finale.

Deuxièmement, il y a la question de l'accès aux nouvelles thérapies pendant l'examen des données. Au Canada, les cliniciens et les patients s'attachent à recueillir des données sur les maladies rares en tenant compte de l'émergence de nouvelles thérapies sur le marché. Dans mon domaine d'expertise, l'AMS et d'autres maladies neuromusculaires, nous avons créé un registre national des maladies neuromusculaires qui compte plus de 4 000 patients atteints de maladies rares. Ces registres permettent de recueillir des données longitudinales sur l'histoire naturelle. Des données de grande qualité sont recueillies directement auprès de cliniciens experts, et les données sont conservées et suivies conformément aux meilleures normes en matière de protection de la vie privée dans les soins de santé. Il est possible de conserver et de personnaliser de vastes éléments de données, des biomarqueurs aux résultats consignés par les patients, pour répondre aux questions qui pourraient intéresser les organismes de réglementation.

L'investissement dans les registres des maladies rares renforcera la confiance des organismes de réglementation à l'égard du fait que des données à long terme sont recueillies et que les répercussions réelles d'un nouveau médicament seront saisies de façon systématique. Les registres sur les maladies présentent des avantages importants par rapport aux registres sur les médicaments, car ils s'appuient sur un échantillon de patients plus représentatif pendant l'examen des données probantes.

Dans le cas de l'AMS, au Canada, nous avons dirigé une initiative mondiale qui a permis de produire un nouvel ensemble de données sur l'histoire naturelle, compte tenu de la disponibilité de nouveaux traitements pour l'AMS, et l'harmonisation de ce nouvel ensemble de données passe désormais par 40 registres nationaux ou régionaux de l'AMS dans le monde. À ce jour, aucun représentant d'un organisme de réglementation canadien n'a approché les responsables du Registre canadien des maladies neuromusculaires pour discuter des éléments essentiels à l'élaboration continue de données probantes.

Parmi les autres mécanismes qui peuvent combler les lacunes, il y aurait la refonte du programme d'accès spécial pour donner accès aux médicaments pendant la période entre l'approbation de Santé Canada et les décisions de l'Alliance pancanadienne pharmaceutique, APP, ainsi que la conception de divers scénarios d'accès gérés qui mobiliseraient le secteur privé de façon créative, pour que les patients aient accès au médicament pendant que les examens se déroulent, et, enfin, la création d'un programme public national d'assurance-médicaments pour les maladies rares. Je crois comprendre qu'il existe d'autres enveloppes de financement pour des scénarios précis comme le cancer et les maladies métaboliques, et une enveloppe de financement propre aux maladies rares permettrait idéalement de trier et de hiérarchiser l'accès plus rapidement, toujours pendant l'examen des données probantes.

À l'heure actuelle, le parcours des personnes atteintes d'une maladie rare est tout à fait inacceptable et me semble inutile, compte tenu de l'intérêt collectif et de l'engagement de tous les intervenants du milieu des maladies rares. Dans un pays compatissant comme le Canada, nous devons trouver un moyen d'être plus déterminés, plus transparents et plus réceptifs à l'égard de nos concitoyens ayant de la difficulté à obtenir des médicaments pour ces maladies.

Je vous remercie de m'avoir donné l'occasion de m'adresser au Comité et je serai heureux de répondre à vos questions. J'espère sincèrement que les efforts du Comité aboutiront à la mise en oeuvre d'une stratégie sur les maladies rares au Canada.

Merci.

● (0925)

M. Don Davies: Merci, monsieur Campbell.

Nous allons maintenant passer à la première série de questions.

Encore une fois, chers collègues, je vous rappelle que Dr Midgley devra nous quitter à 10 heures. Veuillez vous en souvenir si vous voulez lui poser des questions.

C'est à vous, monsieur McKinnon, vous avez sept minutes.

M. Ron McKinnon (Coquitlam—Port Coquitlam, Lib.): Merci, monsieur le président.

Monsieur Coyle, votre témoignage me laisse un peu perplexe. Il me semble que vous préconisez d'une part un programme national d'assurance-médicaments, mais que, par ailleurs, vous vous opposez aussi aux dépenses consacrées à des thérapies coûteuses contre les maladies rares.

C'est bien cela?

M. Doug Coyle: Pas précisément, non.

Nous avons un système de soins de santé publique confronté à des difficultés financières. Il n'est pas suffisamment financé, et le but de ce système devrait être d'essayer d'améliorer la santé générale de la population. Nous devons donc avoir le courage de prendre des décisions et de financer les traitements qui amélioreront la santé de la population et de ne pas en financer d'autres, si cela signifie que nous ne serons pas en mesure d'offrir d'autres interventions qui offriraient de meilleurs soins de santé.

S'il y a des interventions pour les maladies rares — le Dr Midgley a parlé tout à l'heure du traitement initial de la maladie en question —, cela représenterait probablement un gain net pour la santé générale de la population si c'était financé correctement par l'entremise de nos ministères provinciaux. Le problème, c'est que, si nous finançons des thérapies qui coûtent trop cher et qui ne procurent pas un gain suffisant, l'effet net sera que la santé générale de la population diminuera.

Par exemple, dans le cas du Soliris, il en coûte plus de 5 millions de dollars de plus par vie pour traiter un patient avec ce médicament, comparativement à la norme de soins actuelle pour cette maladie. La décision de financer nous dit que nous accordons 40 fois plus de valeur à un patient prenant du Soliris qu'à un patient atteint d'une autre maladie. C'est ce que traduit cette décision. On dit que nous finançons un traitement dans le cadre duquel la santé nette de la population du Canada diminue, parce que nous finançons ce traitement et que, par conséquent, nous ne pouvons pas utiliser ces ressources en soins de santé pour financer d'autres interventions qui donneraient de meilleurs résultats pour la santé générale.

Tout ce que je préconise, c'est, compte tenu des contraintes financières difficiles auxquelles nous sommes actuellement confrontés, de traiter tous les Canadiens sur un pied d'égalité et de choisir de financer les interventions qui amélioreront la santé générale de la population.

● (0930)

M. Ron McKinnon: Traiter tous les Canadiens de la même façon ne signifie-t-il pas donner à tous les Canadiens les soins de santé dont ils ont besoin?

M. Doug Coyle: Le problème, c'est que vous prenez la décision après coup, plutôt qu'avant.

Il faut d'abord justifier l'existence un système de soins de santé. Si ce n'est pas pour maximiser la santé de la population, très bien. Je suis analyste et économiste. Nous essayons de trouver la meilleure façon d'atteindre les objectifs que les gens souhaitent atteindre, compte tenu de la nécessité de faire des choix en raison du manque de ressources. Si vous cherchez une autre solution ou une autre description de ce que le système de soins de santé devrait produire, pas de problème, mais il faut définir les choses.

Peu importe ce que vous décidez, vous devez comprendre qu'il y aura un compromis. Si vous financez un médicament qui ne va pas améliorer la santé générale de la population, c'est raisonnable et c'est correct si c'est votre objectif, mais vous devez définir la valeur supplémentaire que vous accordez au financement de traitements dans un domaine par rapport à un autre.

Comme je l'ai dit tout à l'heure, beaucoup d'éléments sociétaux donnent à penser que la population générale n'est pas en faveur de l'idée de privilégier un groupe par rapport à un autre. Les responsables politiques doivent décider de la raison d'être d'un système de santé publique. Si ce n'est pas pour maximiser la santé générale de la population, trouvez un autre objectif, mais ne dites pas que c'est le cas, mais que vous voulez traiter cet autre groupe différemment, ce qui ne mènera pas à la concrétisation de cet objectif.

M. Ron McKinnon: C'est un calcul très difficile. Où tracez-vous la ligne et décidez-vous que tel traitement coûte trop cher, que nous allons abandonner cet enfant à son sort et qu'il va mourir parce que le traitement est trop coûteux?

M. Doug Coyle: Je ne peux pas parler de toutes les maladies rares, mais l'idée que nous allons les laisser mourir correspond tout à fait, je crois, à ce que les compagnies pharmaceutiques vous disent.

Par exemple, dans le cas du Soliris — et je peux très bien comprendre que ce ne soit pas le cas dans d'autres situations —, la différence d'espérance de vie est d'environ un an, avec ou sans Soliris.

Il faut bien comprendre que les représentants des sociétés pharmaceutiques sont souvent les protagonistes les plus habiles. Ils savent comment jouer avec le système. Ils savent comment dire les choses aux responsables politiques et aux décideurs pour les convaincre qu'ils font ce qu'il faut. Ce sont des gens très créatifs, mais il ne faut pas oublier que leur seul objectif est de maximiser les profits. S'ils ne maximisent pas les profits, nous, les actionnaires des sociétés cotées en bourse, pourrions les poursuivre. C'est leur objectif, et nous avons donc besoin de décideurs qui s'en rendent compte et qui soient capables de dire qu'il faut prendre une décision dans l'intérêt de la population canadienne.

M. Ron McKinnon: Merci.

Docteur Midgley, dans votre exposé, vous avez parlé du cas particulier du traitement d'une maladie qui survient une fois sur 100 000. Je me suis dit qu'il devait être extraordinairement difficile de diagnostiquer ces maladies si rares et si peu fréquentes. Est-ce le cas, et si c'est le cas, quelle incidence cela a-t-il sur la capacité de circonscrire le problème en temps opportun et de trouver la thérapie appropriée?

Dr Julian Midgley: Oui, vous avez raison de dire que c'est rare. Nous avons environ 18 patients à la clinique, ce qui est probablement plus que la fréquence présumée de la maladie. En fait, il n'est pas trop difficile de poser un diagnostic une fois que le patient arrive à la clinique de néphrologie, mais il arrive parfois que des patients passent par une série d'autres fournisseurs de soins de santé qui n'ont tout simplement pas réfléchi au problème ou qui ont reconnu quelque chose, mais qui n'ont pas acheminé le patient ailleurs.

Il n'est pas très difficile de poser le diagnostic une fois que le patient a consulté un professionnel qui connaît la maladie, mais il peut certainement y avoir des retards, ce qui est toujours assez inquiétant.

M. Ron McKinnon: Merci.

Je crois que mon temps de parole est écoulé. Merci.

M. Don Davies: À vous, monsieur Webber, vous avez sept minutes.

M. Len Webber (Calgary Confederation, PCC): Merci, monsieur le président.

Étant moi-même de Calgary, je pense que mes questions s'adresseront au Dr Midgley, de Calgary. J'espère que vous vous en sortez avec la neige. Il paraît qu'il y en a beaucoup.

J'aimerais parler un peu des sociétés pharmaceutiques et de leurs obligations morales. Je vais parler un peu de l'essai clinique lié à une jeune patiente que je connaissais au début des années 2000 et qui souffrait d'arthrite rhumatoïde grave. Elle prenait un médicament expérimental. Je ne dirai pas le nom du médicament, mais il fonctionnait merveilleusement bien pour elle. Elle est passée du statut de jeune femme alitée à celui de membre de la société apte, fonctionnelle et utile, mais la période d'essai tirait à sa fin, et la menace de perdre ce médicament était très évidente.

Nous avons dû intervenir énergiquement auprès du ministre de la Santé pour que ce médicament soit couvert, et cela a exigé beaucoup de travail. Nous avons fini par l'obtenir, Dieu merci, mais entendez-vous beaucoup d'histoires comme celle-ci, de patients qui participent à des essais cliniques et qui trouvent un médicament qui fonctionne pour eux, puis la période d'essai se termine, et ils finissent par ne plus y avoir accès?

Qu'en pensez-vous, docteur?

● (0935)

Dr Julian Midgley: C'est un problème difficile, certes. J'espère que, une fois terminé l'essai clinique, la société pharmaceutique continuera de fournir son médicament au patient qui aura participé à un essai clinique.

Je pense que ce serait très difficile autrement. À Calgary, quatre patients ont participé à l'essai de la cystéamine à libération retardée, et ils ont tous continué à prendre le médicament. À la fin de l'essai, la société les leur a fournis. Il serait extrêmement difficile de justifier l'abandon d'un médicament du point de vue de la société pharmaceutique.

Les médicaments ont un coût extraordinaire ou exorbitant que justifie la recherche-développement pour un petit nombre de patients. J'aimerais voir un mécanisme permettant aux économistes de se réunir et de vraiment se pencher sur le coût réel, et les bénéfices réels, et ce qui est justifiable, plutôt que de laisser les entreprises pratiquer les plus hauts prix possible pour maximiser leurs bénéfices.

M. Len Webber: Merci.

Monsieur McFadyen, vous avez également mentionné que vous avez reçu des offres des pharmaceutiques qui continuent les traitements en essai clinique. Avez-vous entendu parler de pharmaceutiques qui bloquent l'accès à leurs patients?

M. Andrew McFadyen: J'ai entendu parler des sociétés pharmaceutiques — et j'ai eu affaire très directement avec elles — qui ont laissé planer cette menace. Nous avons pu collaborer très étroitement avec elles pour que nos patients continuent d'y avoir accès.

Une partie du problème auquel les pharmaceutiques sont aujourd'hui confrontées, d'après ce que j'ai retenu de mes conversations avec une foule d'entre elles et un grand nombre de mes patients qui prennent des médicaments dans le cadre d'essais cliniques, c'est que l'on s'attend maintenant — même lorsqu'il y a une entente de remboursement pour un médicament approuvé — que les patients qui ont participé à l'essai clinique ne soient pas inclus dans l'entente de remboursement. Les gouvernements s'attendent toujours que les entreprises paient la note.

Par exemple, une entente de remboursement pour un médicament contre les maladies rares sera annoncée, je suppose, très bientôt. Les petits détails sont que 20 % de la population canadienne a participé à l'essai clinique. L'entente de remboursement est en place, mais les gouvernements veulent quand même que la pharmaceutique paie la note. Si 20 % des revenus sont donnés à ces patients, même après la conclusion de l'entente, et qu'ils les ont payés au cours des six dernières années, elles ont beaucoup de mal à franchir le seuil de rentabilité.

Ce ne sont pas les sociétés avec lesquelles je travaille et je traite et je suis très sélectif pour les entreprises avec lesquelles je traite. Je m'assure d'établir des liens uniquement avec les sociétés qui respectent mes valeurs morales. Elles ne veulent absolument pas enlever des patients. Mais cela arrive.

M. Len Webber: Recommanderiez-vous que toute société pharmaceutique qui veut faire un essai clinique ait l'obligation morale de continuer après l'essai et soit obligée de le faire?

M. Andrew McFadyen: Oui, et je pense que ce serait l'idéal, mais, dès lors qu'il y a une entente de remboursement avec les gouvernements, j'estime que le fardeau devrait revenir au système de soins de santé financé par les fonds publics.

Je sais que les entreprises pourraient ainsi perdre le goût de faire des essais cliniques ici. Encore une fois, c'est au détriment de nos patients et de notre système.

M. Len Webber: Docteur Midgley, vous avez mentionné une recherche sur les cellules souches aux États-Unis et l'accès des Canadiens au traitement à l'étranger. Est-il vrai que les Canadiens ne peuvent pas, aujourd'hui, aller aux États-Unis pour obtenir ce traitement aux cellules souches? Pourriez-vous nous en dire plus long à ce sujet, si vous n'y voyez pas d'inconvénient?

● (0940)

Dr Julian Midgley: À l'heure actuelle, la clinique de néphrologie n'offre pas de traitement aux cellules souches. On supposait, entre autres choses, que ce type de traitement, s'il réussissait, ne serait pas offert dans un centre canadien. C'est peut-être le cas, mais l'une des craintes est que, si l'on économise beaucoup d'argent pour un médicament, il ne peut pas nécessairement être transféré à un autre type de traitement relevant d'un autre fonds.

C'est un peu conjectural.

M. Len Webber: Très bien.

J'ignore combien de temps il me reste.

Le président (M. Bill Casey (Cumberland—Colchester, Lib.)): Une minute.

M. Len Webber: Très bien.

Tout ce que je peux dire, monsieur McFadyen, c'est que je souhaite toutes les chances au monde à Isaac pour son traitement en Italie. Je vous souhaite tout le succès possible.

Merci.

Le président: Au tour de M. Davies.

Soit dit en passant, merci beaucoup de votre présidence.

M. Don Davies (Vancouver Kingsway, NPD): Heureux de vous revoir, monsieur le président; et je remercie tous les témoins de leurs excellents témoignages.

Docteur Coyle, j'aimerais commencer par vous. Il y a près de deux ans que notre comité étudie l'assurance-médicaments universelle, publique et à payeur unique. C'était notre recommandation. L'une des questions centrales dans la construction de ce système serait le formulaire des médicaments et la façon dont il serait établi.

Parmi les difficultés, il y a la question de savoir qui décide des médicaments qui finissent par figurer sur le formulaire. Il y a du pour et du contre dans tout, mais à mon avis, on ne veut pas que les politiciens se mêlent de décider ce qui est couvert, car cela les exposerait à des pressions qui ne seraient pas nécessairement appropriées. Nous ne voulons pas que l'industrie exerce des pressions indues sur les décideurs.

J'en suis venu à la conclusion qu'il faut vraiment un groupe d'experts indépendant qui, de façon générale, travaillant avec des données probantes, prendrait les décisions d'inscription en fonction de l'efficacité et du rapport qualité-prix.

Cela nous amène au coeur de la question. Si l'on a un médicament qui coûte, mettons, 500 000 $ par année et qu'une population très restreinte peut en bénéficier, puis que l'efficacité est inconnue ou peut-être marginale, et que le médicament revêt une importance cruciale pour ce petit groupe de patients qui n'ont peut-être par ailleurs pas grand espoir ou peu d'autres options, comment prenons-nous ces décisions?

M. Doug Coyle: C'est vraiment le noeud du problème, n'est-ce pas? Cela revient à ce que nous attendons de notre système de soins de santé. Cela revient aussi à ce que nous, en tant que société, estimons devoir faire pour les populations ou pour les problèmes particuliers auxquels nous sommes confrontés. Je suis venu aujourd'hui et j'ai dit que, selon moi, les résultats que nous visons par notre système de soins de santé, c'est peut-être l'optimisation de la santé générale de la population canadienne. Je pense que l'objectif devrait être l'optimisation.

Si vous avez d'autres questions à aborder, nous devrons en traiter en dehors du budget des soins de santé, en un sens. Autrement, financer un médicament pour une maladie rare au prix de 500 000 $ par année, c'est prendre de l'argent dans le budget des soins de santé, sans pour autant procurer d'avantages pour la santé à d'autres personnes par d'autres interventions, si bien que la santé nette de la population va régresser. C'est un fait. Nous pouvons en discuter, mais ce ne sont que des chiffres, et les chiffres ne mentent pas.

La question est donc de savoir s'il y a des choses auxquelles nous n'attachons pas le même prix au sujet des patients atteints d'une maladie rare. Y a-t-il des choses pour lesquelles nous voulons créer un fonds spécial ou un processus spécial? À vous de décider, pas à moi. C'est une question de processus ou de valeurs.

Tout ce que je peux dire, c'est qu'on a demandé maintes fois à la société d'essayer de faire des arbitrages entre différents aspects des populations pour voir où elle pense qu'il faut mettre plus d'argent. La recherche démontre que la société n'a pas attaché de prix à la rareté. Or, les politiciens américains pourraient décider que ce n'est pas ce que nous, Canadiens, devrions faire, et je vous en félicite. Si vous aviez laissé le monde décider ce que nous pouvions faire, nous aurions encore la peine de mort au Canada, même si nous pensons que c'est mal. Nous voudrions peut-être réfléchir aux valeurs de la société. Nous avons vu ce qui s'est passé dans le Sud lorsque nous laissons la société exprimer ses valeurs. Nous voulons peut-être quelque chose de spécial ou de différent chez nous. La décision revient aux politiciens; je suis désolé. Il faudrait dire que nous devons réserver tel montant d'argent pour avoir un processus distinct pour les populations marginalisées ou pour les populations qui nous tiennent à coeur, mais qu'il faut le prendre, cet argent, dans le système des soins de santé parce que tout ce qu'on fait en le gardant dans le système de soins de santé, c'est prendre des décisions qui ne débouchent pas sur ce que le système de soins de santé devrait faire, c'est-à-dire optimiser la santé des Canadiens.

● (0945)

M. Don Davies: Merci.

Monsieur McFadyen, j'aimerais vous donner la parole. Vous avez manifestement beaucoup réfléchi à la question et êtes très personnellement concerné.

Vous avez dû réfléchir à cette question, mais en tant que personne très personnellement concernée, quel conseil donneriez-vous au Comité sur la façon de déterminer comment financer le traitement des maladies rares lorsque l'efficacité n'est peut-être pas aussi...

M. Andrew McFadyen: J'entends M. Coyle dire que nous attachons un grand prix à une société capable de dégager des sommes exponentielles pour les personnes qui se rendent malades pendant leur vie par la cigarette ou par l'alcool. Il ne fait aucun doute que, si vous contractez un cancer des poumons, nous le traiterons et nous y consacrerons toutes ces vastes ressources, en négligeant ceux qui sont nés avec une maladie, et n'y peuvent rien, tout comme je suis né avec des yeux bruns ou des cheveux bruns.

J'aime croire que je vis dans un pays où nous protégeons toutes les personnes dans le besoin; où nous protégeons les plus vulnérables, où nous pouvons avoir des filets de sécurité sociale conçus pour venir en aide à tous ceux qui sont malades.

Quant aux médicaments qui peuvent ou non démontrer une efficacité appropriée, nous devons également nous pencher sur la façon d'évaluer cette efficacité. La ministre de la Santé m'a déjà dit au cours d'une réunion: « Écoutez, c'est bien beau: Billy peut marcher 750 mètres de plus dans un test de marche de six minutes. Pourquoi vaut-il 500 000 $ pour moi? » J'ai pu expliquer à cette ministre que ce n'est pas seulement 750 mètres de plus; c'est marcher de sa résidence à sa voiture; de sa voiture à son — nouveau — lieu de travail, s'il peut y arriver. À l'école, il peut aller seul de sa classe aux toilettes, sans l'aide d'un éducateur. Il arrive à mieux s'intégrer à la société et à devenir le type de personne que valorise le reste du système de soins de santé; c'est ce qui a du prix.

Lorsque nous nous penchons sur l'optimisation des ressources également, nous ne tenons pas compte des ramifications globales sur le système de soins de santé. Nous voyons un traitement de 500 000 $ par année. Nous oublions les parents qui quittent le marché du travail, les besoins en santé mentale pour les parents victimes des conséquences dévastatrices de ces maladies, la santé mentale des frères et des soeurs, ou le temps d'école perdu pour les frères et les soeurs et les familles. Rien de tout cela n'est compté dans les 500 000 $ par année; c'est pourtant la valeur de ces vies.

Je pense que nous devons pouvoir nous occuper de tout le monde, et il y a des mécanismes en place pour cela. Si l'efficacité d'un médicament est un peu faible ou si les données ne sont pas disponibles, nous pouvons étudier la possibilité d'un financement provisoire et recueillir des données concrètes. Fait-il ce que les fabricants disent qu'il fait? Fait-il ce que disent les essais cliniques? Je crois que c'est un système qui peut être mis en place. Je ne crois pas que ce serait un fardeau pour le grand système et j'estime que la santé générale de tous les Canadiens — pas seulement de la plupart — serait améliorée.

M. Don Davies: Bien dit, monsieur McFadyen, mais je vais vous poser une question d'avocat du diable. Il est évident que nous ne pouvons pas financer tous les médicaments, peu importe leur efficacité ou leur coût, pour toutes les affections. Êtes-vous en train de dire que nous n'avons pas de décisions à prendre à cet égard?

M. Andrew McFadyen: Je dis que nous devrions pouvoir nous occuper de ceux qui en ont le plus besoin — les patients, comme ceux de mon groupe, qui seront morts avant que nous ayons décidé de financer ce médicament. Je peux vous garantir que nous déciderons de financer ce médicament au Canada. La plupart des médicaments qui font l'objet d'un financement prioritaire finissent par être remboursés ou par donner lieu à un accord de collaboration entre les gouvernements et les pharmaceutiques.

Ce qu'il ne faut pas faire, c'est prendre notre temps pour y arriver, parce que nous perdons beaucoup de monde. Si un médicament fait l'objet d'un examen prioritaire, c'est pour une raison. Nous devrions pouvoir nous assurer qu'il y a des mécanismes de remboursement en place.

Le président: Merci beaucoup.

Au tour de M. Grewal.

M. Raj Grewal (Brampton-Est, Lib.): Merci, monsieur le président.

Merci à tous les témoins de leur présence. Nous avons une discussion des plus intéressantes sur le rôle du gouvernement dans ce domaine de politique. Il y a des décisions très difficiles à prendre.

J'ai siégé trois ans au Comité des finances. Tout tournait autour des dollars et des cents. Le résultat net était toujours vrai dans mon travail d'avocat d'entreprise. En même temps, par contre, du côté des immigrants, il nous arrivait de compter sur les filets de sécurité sociale pendant mon enfance. Sans ces programmes, je ne serais peut-être pas député aujourd'hui.

En entendant ces témoignages, je me dis que j'ai une éducation extraordinaire et que je suis député aujourd'hui, et que je vois les choses dans la perspective des intérêts supérieurs de la nation. En même temps, en entendant l'histoire d'Isaac, je pense à l'histoire de ma propre famille. Je suis de tout coeur avec votre famille. Nos prières accompagnent Isaac, et nous lui souhaitons la meilleure des chances. L'histoire de votre famille est absolument remarquable.

Ma question s'adresse à M. Coyle. Y a-t-il une province ou un territoire qui fait bien les choses? Le Canada se distingue par le partage de son administration des soins de santé entre le gouvernement fédéral et le gouvernement provincial. Y a-t-il un exemple de pays, du G7 ou du G20, qui gère bien le problème des maladies rares?

● (0950)

M. Doug Coyle: Le problème fondamental de presque chaque système de soins de santé est qu'il n'a pas formellement défini son objectif. À moins de savoir ce que le système de soins de santé cherche à accomplir, nous ne pouvons pas voir s'il a bien atteint son objectif.

Le seul système de soins de santé qui le fait est en Australie. L'Australie a de fait déclaré spécifiquement que l'objectif de son système de soins de santé est d'optimiser la santé des Australiens. Si c'est ce qu'elle veut faire, elle a également un processus pour prendre ces décisions, surtout en ce qui concerne les médicaments, selon que ce financement améliorera la santé générale des Australiens.

Cependant, même en Australie, nous avons le problème de nous concentrer principalement sur les nouvelles interventions pour lesquelles il y a un commanditaire commercial. C'est là qu'intervient la pression sur le financement. Ce que nous couvrions jadis, nous ne le couvrons plus. En Ontario, par exemple, nous ne couvrons pas les rendez-vous en physiothérapie.

J'ai une affection dégénérative chronique de la hanche, pour laquelle je vais chez mon physiothérapeute toutes les trois ou quatre semaines. C'est terriblement douloureux et difficile, mais cela m'aide. Cela m'évite d'avoir à subir une arthroplastie de la hanche, qui coûterait des milliers de dollars au système et signifierait probablement que, dans 10 ou 15 ans, je serais en fauteuil roulant et aurais une bien piètre qualité de vie.

J'ai les moyens de payer cette physiothérapie grâce à l'assurance-maladie de mon université. Il y a beaucoup de Canadiens, des immigrants ou des descendants d'immigrants, qui ne peuvent pas se permettre les soins de santé de base, qui ne sont pas si chers. Moins de 1 000 $ par an. Cela permettrait d'économiser de l'argent en cas de besoin de chirurgie, et cela améliorerait grandement la qualité de vie du patient.

Je pourrais dire que personne n'a la bonne recette, parce que personne ne considère vraiment les soins de santé dans leur ensemble. Il y a une foule de choses à faire pour améliorer grandement la santé de la population, mais elles ne sont plus financées parce qu'il n'y a pas de groupe de défense et de promotion. Aucun commanditaire commercial ne propose cette garantie.

La réponse facile est non. Personne n'a la bonne recette. Je dirais que c'est l'Australie qui s'en approche le plus en définissant ce qu'elle veut de son système de soins de santé. Au Canada, ce serait le premier pas à franchir; nous pourrions décider quelle est la raison d'être du système de soins de santé au départ, et quel est l'objectif qui sous-tend ce que nous voulons faire.

M. Raj Grewal: Merci.

Beaucoup de Canadiens ne connaissent personne souffrant d'une maladie rare. Je suis un nouveau membre du Comité. Le financement du traitement des maladies rares n'est pas un sujet qui revient quotidiennement dans mon bureau de circonscription, ni dans les appels que je reçois, ni dans mes courriels ni dans les médias sociaux.

Ce qui ne signifie pas que ce n'est pas important. On se lance en politique pour faire une différence. À un certain moment, l'objet de la politique est de protéger les plus vulnérables de la société. La grande majorité d'entre nous savons nous débrouiller tout seuls et n'avons jamais besoin des services du député. Ma circonscription, Brampton-Est, compte 130 000 habitants. J'interagis avec peut-être 5 000 d'entre eux sur une période de quatre ans, et c'est un mandat ambitieux.

Quelle est la solution? Même mon collègue du NPD a dit que nous ne pourrons jamais tout financer. Y a-t-il une solution, qui pourrait venir du secteur public et du secteur privé, peut-être sous forme d'incitatifs fiscaux ou de recherche-développement?

Nous avons chez nous des patients vulnérables, qui ont besoin de ces médicaments. Ces médicaments sont prêts, approuvés par la Food and Drug Administration américaine, comme ils le seront bientôt par Santé Canada. Ils sont peut-être coincés au stade de l'établissement du prix, ce qui doit être plus que frustrant. Quels sont les petits correctifs que nous pouvons apporter dans la bureaucratie pour accélérer un peu les choses?

Je m'adresse à M. McFadyen, si vous voulez bien.

● (0955)

M. Andrew McFadyen: Eh bien, par exemple, pour les patients souffrant d'une cystinose, on va forcer le système à fournir et à rembourser le médicament, qui peut coûter 400 000 $. Santé Canada s'apprête à en approuver un, qui coûtera probablement 50 000 $. Comme l'a dit le Dr Midgley, le médicament fait pour ainsi dire exactement la même chose. Il faut prendre quatre pilules par jour plutôt que deux. Nous ne laissons plus nos patients avoir accès à ce médicament de 50 000 $ ou 60 000 $. De fait, le coût de ce médicament aujourd'hui est de 10 000 $. Il y a des économies à faire là, si l'on a cent patients à l'échelle du spectre.

Y a-t-il des moyens de s'assurer une plus grande collaboration entre les sociétés pharmaceutiques et les gouvernements? Oui, c'est sûr. Avec l'Alliance pancanadienne pharmaceutique, l'APP, nous avons proposé des voies vraiment uniques qui pourraient être utiles. Par exemple, il y a certaines populations ultra-rares de moins de 10 personnes: Alexion a certains patients qui ont besoin de Kanuma, et BioMarin des patients atteints de la maladie CLN2 ou de la maladie de Batten. Si l'un de ces médicaments fait l'objet d'un examen prioritaire à Santé Canada, c'est l'entreprise qui s'occupe de la maladie rare et réglera la note jusqu'à la fin des négociations de l'APP, pourvu qu'une entente soit conclue dans les 90 jours.

Les pharmaceutiques veulent que cela arrive. Aujourd'hui, c'est tout ou rien. Soit les gouvernements sont satisfaits parce qu'ils ont fait baisser le prix des médicaments, soit l'entreprise est satisfaite parce qu'elle a conclu une excellente affaire. Les seules perdants sont les patients.

C'est un défi, oui, mais je suis sûr que nos économistes sauront trouver la solution, si nous ne la trouvons pas nous-mêmes. Je peux vous garantir que, si nous avions ce que nous avons vu dans le monde, comme les catastrophes minières au Chili, où 21 personnes sont coincées dans une grotte, nous débloquerions 100 millions de dollars pour aller les chercher, parce que ce serait la chose à faire. Un économiste pourrait dire: « Si nous dépensons 100 millions de dollars pour aller chercher ces gens-là, nous ne pourrons pas acheter un tomodensitomètre pour ce groupe de personnes. Alors, n'y allons pas. Laissons-les mourir. Mettons les caméras de presse et les médias d'information sur le site le temps qu'ils crèvent. »

M. Raj Grewal: Je ne suis pas d'accord sur cette analogie dans une perspective de politique publique.

Le président: Je suis désolé; votre temps est écoulé.

Cela met fin à notre tour de sept minutes. Nous allons passer à un tour de cinq minutes.

Il est 10 heures. Je crois comprendre que le Dr Midgley doit quitter à 10 heures. Si vous devez quitter, merci beaucoup de votre contribution. Nous vous en sommes très reconnaissants.

Passons à M. Lobb.

M. Ben Lobb (Huron—Bruce, PCC): Ma première question s'adresse au Dr Campbell.

Corrigez-moi si je me trompe, mais dans votre déclaration préliminaire, vous avez dit avoir travaillé pour certaines pharmaceutiques. L'une des choses qui me paraît évidente — mais j'aimerais connaître votre point de vue si vous pouvez nous le donner — c'est qu'il y a si peu de gens qui prendront le médicament ou en bénéficieront que les pharmaceutiques disent: « Si nous pouvons le faire par l'entremise du Programme d'accès spécial, le PAS, nous le ferons. »

À mon avis, s'il est dans le programme PAS depuis 20 ans, nous devrions avoir un système grâce auquel les pharmaceutiques pourraient très facilement le transférer dans un médicament enregistré. Avez-vous des commentaires ou des réflexions à ce sujet — par exemple, que nous devrions en faire moins par l'entremise du PAS et avoir davantage d'enregistrement?

Dr Craig Campbell: Il ne fait aucun doute, à mon sens, que ce programme, le PAS, peut combler les lacunes un peu mieux qu'à l'heure actuelle. Pour les médicaments vraiment ultra-rares... Soyons francs, le Canada est un petit pays sur un vaste territoire et il arrive que convertir un accès au PAS en un véritable essai clinique ouvert... C'est une autre option: non seulement convertir les patients à un médicament approuvé au pays, mais aussi les inscrire à plus long terme à un essai clinique.

Ce n'est pas que les patients qui sont inscrits à une étude d'extension ouverte doivent toujours avoir participé à l'essai témoin randomisé initial ou à l'essai expérimental; alors plutôt que d'utiliser l'appareil pour faire passer un médicament à sa réalisation commerciale, on pourrait imaginer d'autres stratégies de sortie du PAS.

Bien sûr, au bout du compte, comme vous dites, l'idéal serait de faire approuver le médicament dans le cadre d'un processus officiel. À mon avis, comme je l'ai mentionné dans mon propos, le PAS pourrait être meilleur si l'on essayait de refermer l'écart entre l'approbation par Santé Canada et le processus de l'Alliance pancanadienne pharmaceutique, l'APP. Je pense que nous devons faire la lumière sur la question de la preuve.

Telles sont mes réflexions pour le long terme. Mettons les gens en contexte d'essais cliniques et recueillons des données, ou passons peut-être à la commercialisation du produit.

● (1000)

M. Ben Lobb: D'accord. Merci.

Monsieur McFadyen, les représentants de Santé Canada sont venus ici. Ils brossent un tableau très rose du paysage et de toutes les grandes choses qu'ils prétendent avoir faites, mais nous voyons l'exemple de patients atteints de cystinose. Ils prennent un médicament dans le cadre de ce programme, le PAS, pendant de nombreuses années, et cela fonctionne. Une autre société pharmaceutique arrive, voit une occasion extraordinaire de faire beaucoup d'argent, fait homologuer son médicament au Canada, puis Santé Canada commence à forcer les patients à utiliser ce médicament à un coût plus élevé.

Même si l'on dit que ce cas se produit une fois sur un million, je sais que ce n'est pas vrai. Cela ne correspond pas à l'ensemble du problème des maladies rares, etc., mais pourquoi ne pouvons-nous pas demander à l'entreprise pharmaceutique qui fournit ce médicament depuis 22 ans ce qu'il faut faire pour qu'il soit accessible au Canada et que nous n'ayons pas à forcer les gens à l'abandonner? Pourquoi ne pouvons-nous pas leur dire que pour ces produits rares et ultra-rares nous ferons en sorte qu'il vaille la peine pour eux de s'inscrire sans devoir passer par...? Lors de la dernière réunion, Mme Durhane nous a dit que tous les ans, au Canada, 13 000 demandes étaient présentées au PAS.

M. Andrew McFadyen: Oui. Dans le cas particulier de la cystinose, je peux en parler avec assurance parce qu'une fois que ce médicament de l'autre société — le médicament le plus cher — a été approuvé et qu'il a fait son chemin dans le processus de négociation, beaucoup de patients atteints de cystinose ont communiqué avec moi. Ils m'ont dit qu'ils ne voulaient pas perdre l'accès au médicament moins cher, qui fonctionnait pour eux, et qu'ils ne voulaient pas avoir à déménager et ils m'ont demandé ce que je pouvais faire.

En fait, j'ai rencontré des représentants de Santé Canada. J'ai vu le directeur du programme d'accès spécial et je lui ai dit que je pouvais jouer un rôle particulier à cet égard et que j'aimerais rendre visite à l'entreprise qui fabriquait ce médicament moins cher et faire mon possible pour voir si elle présenterait une demande à Santé Canada en vue d'obtenir la qualité pour agir et ensuite mener à bien les négociations relatives au remboursement. C'est ce qui s'est produit.

J'ai rencontré les représentants de cette entreprise et je leur ai dit que s'ils croyaient que leur médicament avait une valeur pour les patients qui en ont besoin, si leur entreprise accordait la priorité aux patients, je les priais d'aller de l'avant et de s'adresser à Santé Canada. C'est ce qu'ils ont fait. Le dossier suit son cours. À un moment donné, que l'entreprise fasse l'objet d'un examen prioritaire ou non, ce deuxième médicament devrait être approuvé. Nous aurons alors un médicament très coûteux sur le marché et un autre moins cher; les deux auront le même effet.

M. Ben Lobb: Je sais que là...

Le président: Je suis désolé, monsieur Lobb. Nous passons maintenant à Mme Sidhu.

Mme Sonia Sidhu (Brampton-Sud, Lib.): Merci, monsieur le président, et merci à vous tous de votre témoignage.

Un Canadien sur 12, dont les deux tiers sont des enfants, est atteint de maladies rares. Quelle stratégie le Canada peut-il mettre en oeuvre à court terme pour régler ce problème au lieu de planifier une solution à long terme?

L'un ou l'autre d'entre vous peut répondre à cette question.

● (1005)

M. Doug Coyle: Pour commencer, je dirais que le chiffre d'un Canadien sur 12 qui a une maladie rare met peut-être en évidence le mauvais message que transmet la Canadian organization for rare diseases. Cela semble sous-entendre que la rareté n'est pas très rare et que, par conséquent, les répercussions découlant de la décision de financer des médicaments pour les maladies rares qui n'accroissent pas la santé globale de la population pourraient être beaucoup plus importantes que nous le pensons.

Le problème tient en partie à la définition du terme « rare ». Lorsque nous pensons aux maladies rares, nous pensons à celles qui touchent peut-être un Canadien sur 100 000, ou un Canadien sur 50 000 ou même un Canadien sur un million. Le problème vient en partie du fait que la CORD utilise une définition de la rareté qui correspond peut-être, je crois, à une personne sur 20 000 — je ne m'en souviens pas —, mais ce n'est pas ce que les gens associent au mot « rare ».

Il faut vraiment comprendre que la rareté n'est pas une question binomiale. Ce n'est pas « votre maladie est rare » ou « votre maladie n'est pas rare ». Il y a différents niveaux de rareté. Je peux très bien comprendre que beaucoup d'entre nous pensent à ces maladies ultra-rares — celles qui touchent une personne sur 100 000 ou une sur 200 000 — et c'est là que les Canadiens pourraient penser, selon moi, qu'il est utile d'avoir un processus distinct pour ces maladies ultra-rares.

Je pense que la définition utilisée par la CORD qui lancent des chiffres comme un Canadien sur 12 qui souffre d'une maladie rare — on a même dit un Canadien sur 10 — n'est vraiment pas utile dans ce débat parce que nous ne parlons pas réellement d'une maladie touchant un Canadien sur 2 000 ou sur 5 000. Nous parlons en fait de problèmes extrêmement rares qui concernent peut-être 100 Canadiens ou 50 ou parfois même 10 Canadiens. C'est le dialogue que nous sommes censés entamer ici, je crois, et non en rester à la proportion de un sur 12, qui est vraiment inutile.

À vrai dire, si un Canadien sur 12 souffre d'une maladie rare, nous ne pouvons pas traiter alors la rareté comme une maladie spéciale parce que presque tout le monde est atteint d'une maladie rare dans ces contextes. Je pense que la définition que propose la CORD va vraiment à l'encontre de cet argument.

Si nous pouvons nous concentrer sur ces troubles ultra-rares, nous pourrions peut-être penser que les valeurs canadiennes devraient refléter un processus spécial ou une enveloppe de financement spéciale, mais c'est à vous de décider. De toute évidence, si vous vous en remettez au grand public, ce dernier ne pense pas que nous devrions suivre un processus particulier ou prévoir une enveloppe budgétaire spéciale.

Mme Sonia Sidhu: Merci.

Monsieur McFadyen, vous avez dit que le groupe d'innovation en bioéthique aux États-Unis prend des décisions rapides. Ce genre de groupe a-t-il été créé au Canada?

M. Andrew McFadyen: Le groupe de bioéthique? Non, nous existons aux États-Unis. Il y a un groupe d'environ neuf personnes que dirige Art Caplan, qui est probablement l'un des plus grands bioéthiciens médicaux de la planète.

Nous agissons au besoin. Par exemple, s'il y a une zone grise en ce qui a trait à la prise de décisions et qu'une entreprise n'arrive pas à déterminer si elle devrait élargir l'accès pour un patient, elle ne prend pas cette décision; il nous appartient de la prendre. Nous l'analysons en fonction de notre expérience, puis nous faisons parvenir notre recommandation à l'entreprise. Dans tous les cas, cette dernière prend des mesures et assure un suivi de ce que nous faisons.

J'ai présenté cette idée à des endroits comme l'Alliance pancanadienne pharmaceutique (APP) pour faire valoir l'importance d'établir un comité d'éthique indépendant apte à régler les désaccords entre le gouvernement et le secteur pharmaceutique. Sans lier les parties, une recommandation sera au moins présentée et fera partie de ces négociations de manière à éviter — car cela se produit souvent — que les négociations au sujet de ces médicaments pour les maladies rares soient interrompues et que rien ne se passe. Si ce genre de comité de bioéthique était mis sur pied, nous pourrions au moins lui proposer des solutions novatrices afin que le processus puisse continuer d'avancer.

Mme Sonia Sidhu: Merci.

Ma prochaine question s'adresse à vous, docteur Campbell, et porte sur l'utilisation non indiquée des médicaments. Comment mesurons-nous l'efficacité de ces médicaments?

Dr Craig Campbell: À mon avis, il ne fait aucun doute que nous devons veiller à ce que les gens qui ont le plus à gagner d'un médicament y aient accès. Cependant, vous avez raison, dans le monde réel, il arrive souvent que les choses évoluent de telle sorte que d'autres groupes de patients ou d'autres patients, qui ne sont peut-être pas le point central du traitement, reçoivent ces médicaments.

Je pense que c'est là que je dirais qu'investir dans des registres des maladies rares sera très instructif et ce sera une façon systématique d'aborder la question pour pouvoir suivre au fil du temps les patients qui ont accès aux traitements et qui utilisent peut-être des traitements non conformes. C'est un peu différent des registres de médicaments. Je crois qu'il est vraiment essentiel d'investir dans ce genre d'outil.

Si vous n'avez pas d'objection à ce que je fasse un bref commentaire au sujet de la suggestion initiale de M. Coyle, je pense qu'utiliser des chiffres cumulatifs pour décrire les maladies rares est effectivement un effort pour faire deux choses.

La première consiste à démontrer qu'il n'est en fait pas si inhabituel de regrouper toutes les maladies rares. Nous consacrons beaucoup de ressources en soins de santé — des ressources extraordinaires, parfois — à des choses très courantes comme les maladies cardiaques, les accidents vasculaires cérébraux et les cancers. Je pense que, dans le domaine des maladies rares, nous voulons mettre quelque peu notre peau en jeu; c'est pourquoi les décrire à l'aide de cette terminologie permet aux gens de reconnaître que c'est un gros problème.

Deuxièmement, cela fait ressortir qu'il faut des solutions s'appliquant à toutes les maladies rares. Oui, vous avez peut-être une maladie ultra-rare par rapport à une autre qui atteint une personne sur 20 000, mais il y a des lacunes dans notre façon d'aborder cette question, dans le système de soins de santé et dans l'examen des données probantes. Élaborer des paradigmes efficaces serait utile pour toutes ces maladies rares.

● (1010)

Le président: Cela met fin à notre séance avec les témoins.

Nous devons maintenant passer aux travaux du Comité. Nous avons passablement de travail à faire avant la semaine de relâche.

Je tiens à remercier les témoins de leur contribution à notre étude, de leur excellent travail et de leur engagement. Il est évident que vous vous souciez vraiment de cette question et que vous y consacrez une part de votre activité quotidienne.

Sur ce, je vais suspendre la séance pendant cinq minutes, le temps de passer à huis clos, puis nous reprendrons.

[*La séance se poursuit à huis clos*]

Publié en conformité de l'autorité
du Président de la Chambre des communes

PERMISSION DU PRÉSIDENT

Les délibérations de la Chambre des communes et de ses comités sont mises à la disposition du public pour mieux le renseigner. La Chambre conserve néanmoins son privilège parlementaire de contrôler la publication et la diffusion des délibérations et elle possède tous les droits d'auteur sur celles-ci.

Il est permis de reproduire les délibérations de la Chambre et de ses comités, en tout ou en partie, sur n'importe quel support, pourvu que la reproduction soit exacte et qu'elle ne soit pas présentée comme version officielle. Il n'est toutefois pas permis de reproduire, de distribuer ou d'utiliser les délibérations à des fins commerciales visant la réalisation d'un profit financier. Toute reproduction ou utilisation non permise ou non formellement autorisée peut être considérée comme une violation du droit d'auteur aux termes de la *Loi sur le droit d'auteur*. Une autorisation formelle peut être obtenue sur présentation d'une demande écrite au Bureau du Président de la Chambre.

La reproduction conforme à la présente permission ne constitue pas une publication sous l'autorité de la Chambre. Le privilège absolu qui s'applique aux délibérations de la Chambre ne s'étend pas aux reproductions permises. Lorsqu'une reproduction comprend des mémoires présentés à un comité de la Chambre, il peut être nécessaire d'obtenir de leurs auteurs l'autorisation de les reproduire, conformément à la *Loi sur le droit d'auteur*.

La présente permission ne porte pas atteinte aux privilèges, pouvoirs, immunités et droits de la Chambre et de ses comités. Il est entendu que cette permission ne touche pas l'interdiction de contester ou de mettre en cause les délibérations de la Chambre devant les tribunaux ou autrement. La Chambre conserve le droit et le privilège de déclarer l'utilisateur coupable d'outrage au Parlement lorsque la reproduction ou l'utilisation n'est pas conforme à la présente permission.

Aussi disponible sur le site Web de la Chambre des communes
à l'adresse suivante : http://www.noscommunes.ca

Published under the authority of the Speaker of
the House of Commons

SPEAKER'S PERMISSION

The proceedings of the House of Commons and its Committees are hereby made available to provide greater public access. The parliamentary privilege of the House of Commons to control the publication and broadcast of the proceedings of the House of Commons and its Committees is nonetheless reserved. All copyrights therein are also reserved.

Reproduction of the proceedings of the House of Commons and its Committees, in whole or in part and in any medium, is hereby permitted provided that the reproduction is accurate and is not presented as official. This permission does not extend to reproduction, distribution or use for commercial purpose of financial gain. Reproduction or use outside this permission or without authorization may be treated as copyright infringement in accordance with the *Copyright Act*. Authorization may be obtained on written application to the Office of the Speaker of the House of Commons.

Reproduction in accordance with this permission does not constitute publication under the authority of the House of Commons. The absolute privilege that applies to the proceedings of the House of Commons does not extend to these permitted reproductions. Where a reproduction includes briefs to a Committee of the House of Commons, authorization for reproduction may be required from the authors in accordance with the *Copyright Act*.

Nothing in this permission abrogates or derogates from the privileges, powers, immunities and rights of the House of Commons and its Committees. For greater certainty, this permission does not affect the prohibition against impeaching or questioning the proceedings of the House of Commons in courts or otherwise. The House of Commons retains the right and privilege to find users in contempt of Parliament if a reproduction or use is not in accordance with this permission.

Also available on the House of Commons website at the
following address: http://www.ourcommons.ca